

A landscape at sunset with a glowing heart shape made of light trails in the sky. The heart is formed by several overlapping, glowing white lines that trail off into the distance, creating a sense of movement and light. The background shows rolling hills and a field of purple flowers in the foreground, all bathed in the warm, golden light of the setting sun.

**RESPUESTA AL
PROCEDIMIENTO
DE LEGISLACIÓN
COLABORATIVA
DEL PLAN
ESTRATÉGICO DE
MEDICINA
PERSONALIZADA
DE PRECISIÓN DE
CASTILLA Y LEÓN
2024-2030**

aeLmhu

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), es una organización de 24 de empresas farmacéuticas y biotecnológicas, con un **decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras.**

Entre los compromisos de la Asociación está:

- 1 DAR VISIBILIDAD** a las características especiales de las EE.RR. y ultrarraras.
- 2 FORMAR E INFORMAR** sobre el valor que aportan los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) y ultrahuérfanos para el tratamiento de estas patologías.
- 3 COLABORAR** con organizaciones de pacientes, Administraciones públicas, así como con otros agentes, en aras de aportar conocimiento y experiencia en el tratamiento de las EE.RR.
- 4 SUMAR ESFUERZOS** y apoyar la I+D+i para conseguir que nuevos MM.HH. lleguen al mercado.

Nuestra misión es contribuir a mejorar **la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras/poco frecuentes**, dando visibilidad a las patologías y poniendo en valor la **investigación** y los **tratamientos** para ellas.

Tras haber analizado el proyecto de orden, a continuación, se aportan algunos comentarios.

Análisis

Los asociados que componen AELMHU realizan una importante **labor investigadora** que resulta en el desarrollo de fármacos capaces de tratar enfermedades minoritarias que suelen desarrollarse en la niñez o infancia y que, por ser mayoritariamente genéticas y no contar con tanta evidencia ni estudios clínicos, la realización de un **diagnóstico eficaz y temprano** es vital.

Datos de nuestro informe de Ensayos Clínicos en España¹ relevan que, en 2023, España autorizó 834 ensayos clínicos, siendo 190 para enfermedades raras. **Castilla y León** participó en 30 de estos ensayos para estas **enfermedades**. Sin embargo, del total de los ensayos autorizados para EE.RR. 182 fueron impulsado por promotores comerciales.

En este contexto, nuestra asociación apuesta por la **colaboración público – privada**, así como por la colaboración con los distintos agentes implicados. Tanto es así que, junto con 73 organizaciones del ámbito farmacéutico, científico, y pacientes, AELMHU llevó a cabo en 2017 un informe sobre **Recomendaciones para la Búsqueda de soluciones en el ámbito de Enfermedades Raras**, el mayor documento de consenso alcanzado en cuanto al abordaje de las patologías poco frecuentes en España.

Desde AELMHU estamos convencidos de que los **Sistemas de Salud estarán basados en la Medicina Personalizada de Precisión (M.P.P.), las Terapias Avanzadas y la Inteligencia Artificial** pues estos avances están impulsando una revolución terapéutica sin precedentes, orientada a atender las necesidades específicas de cada paciente. Es por ello por lo que celebramos la participación y el **enfoque transversal y multidisciplinar** que Castilla y León ha integrado en la preparación de este plan. En concreto, acogemos el objetivo fijado por la comunidad de promover el **desarrollo de un modelo integrado y coordinado, equitativo y sostenible** con el fin de mejorar los resultados en salud de los pacientes castellanoleoneses.

Durante los últimos años, los asociados han sido conscientes de la necesidad de investigar y desarrollar terapias avanzadas capaces de mejorar el tratamiento de las enfermedades minoritarias, impulsando así la medicina personalizada; en este sentido nos unimos al impulso marcado por la comunidad en la **identificación de los elementos de nuestro Sistema de Salud que permitan su transformación holística y efectiva hacia el nuevo modelo de atención personalizada**, priorizando un sistema que tenga en cuenta todos los actores, niveles y capacidades implicadas.

Recomendaciones

Tras analizar lo expuesto en la publicación de la Consulta Pública del Plan Estratégico de Medicina Personalizada de Precisión de Castilla y León 2024-2030, desde la AELMHU queremos realizar las siguientes **aportaciones**:

- 1** Debido al nivel de conocimiento y experiencia que los representantes de la industria farmacéutica tienen en el ámbito de la M.P.P, desde AELMHU **recomendamos incluir**, dentro del marco de gobernanza integrado en el Plan, a la **industria y a las asociaciones de pacientes**, de manera que estas puedan aportar una visión completa de la situación en este ámbito. Por otro lado, **permitir la participación, dentro de los comités técnicos, de expertos de la industria farmacéutica**, mejoraría las sinergias y la colaboración público-privada.
- 2 ACOTAR Y REDUCIR** los plazos de actualización e integración de nuevos servicios de medicina personalizada en la cartera de servicios de manera que se impulse **la identificación de los factores de riesgo para la salud y el desarrollo de los procesos diagnósticos, preventivos y terapéuticos**.
- 3 PROMOVER LA COLABORACIÓN** con los actores regionales, así como comerciales, en la **investigación y desarrollo de técnicas y herramientas analíticas**, pues la detección temprana es un factor fundamental y determinante, tanto para el abordaje y progresión de las enfermedades, como para la calidad de vida de los pacientes y su entorno familiar, social y laboral.
- 4 GARANTIZAR EL ACCESO RÁPIDO Y EQUITATIVO** al **diagnóstico de enfermedades**. Para ello, es esencial reforzar la coordinación entre niveles asistenciales sanitarios (Atención primaria – Hospital) para la detección y seguimiento de estos pacientes lo antes posible.

- 5 Al hilo de la recomendación anterior, desde AELMHU consideramos esencial **reforzar la implementación de los servicios incluidos en la cartera de servicios** con el fin de garantizar que no existan variaciones ni desigualdades en el **acceso de pruebas con biomarcadores**.

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



aelmhu.es